

**FICHA IDENTIFICATIVA****Datos de la Asignatura**

|                        |                               |
|------------------------|-------------------------------|
| <b>Código</b>          | 43033                         |
| <b>Nombre</b>          | Fundamentos de terapia génica |
| <b>Ciclo</b>           | Máster                        |
| <b>Créditos ECTS</b>   | 3.0                           |
| <b>Curso académico</b> | 2024 - 2025                   |

**Titulación(es)**

| <b>Titulación</b>                          | <b>Centro</b>                                      | <b>Curso</b> | <b>Periodo</b> |
|--|--|--------------|----------------|
| 2138 - Máster Universitario Inv.U.Rac.Med. | Facultad de Farmacia y Ciencias de la Alimentación | 1            | Anual          |

**Materias**

| <b>Titulación</b>                          | <b>Materia</b>                    | <b>Caracter</b> |
|--|-----------------------------------|-----------------|
| 2138 - Máster Universitario Inv.U.Rac.Med. | 9 - Fundamentos de Terapia Génica | Optativa        |

**Coordinación**

| <b>Nombre</b>           | <b>Departamento</b> |
|-------------------------|---------------------|
| HERRERO CERVERA, M.JOSE | 135 - Farmacología  |

**RESUMEN**

La asignatura pretende dar a conocer las nuevas posibilidades que ofrece el conocimiento del genoma humano en relación con la optimización terapéutica, el desarrollo de nuevos medicamentos y el potencial terapéutico de los genes y/o ácidos nucleicos utilizados como medicamentos. Aborda los conceptos básicos de la Farmacología integrados con los conocimientos de la Biología Molecular. Se pretende introducir de un lado las bases de la Farmacogenética y Farmacogenómica en relación con el uso racional del medicamento y como un pilar de interés en la terapéutica individualizada. De otro lado, se introducen los conceptos necesarios para comprender los procedimientos de transferencia de genes mediante la utilización de procedimientos físicos o el concurso de vectores virales y no virales. Se aborda la terapia génica con proyección clínica en toda su dimensión, bien utilizando células somáticas (diferenciadas o troncales) o células modificadas genéticamente. Se profundiza en el potencial terapéutico de estos nuevos procedimientos, así como en la eficacia y riesgos de los mismos y los problemas éticos que su utilización suscita.



## CONOCIMIENTOS PREVIOS

### Relación con otras asignaturas de la misma titulación

No se han especificado restricciones de matrícula con otras asignaturas del plan de estudios.

### Otros tipos de requisitos

Interés por las nuevas estrategias terapéuticas. Avidéz por conocer el impacto del conocimiento del genoma sobre la salud y la enfermedad. Aspirar a conocer el fundamento del desarrollo de los ácidos nucleicos como fuente de nuevos medicamentos. Desear comprender el diálogo entre los medicamentos génicos y el genoma del individuo con la finalidad de reparar y / o restablecer funciones perdidas o introducir las de nuevo con finalidades terapéuticas. Desear conocer cuales son las tendencias actuales sobre

## COMPETENCIAS (RD 1393/2007) // RESULTADOS DEL APRENDIZAJE (RD 822/2021)

### 2138 - Máster Universitario Inv.U.Rac.Med.

- Manejar adecuadamente las fuentes de información biomédica y poseer la habilidad de hacer una valoración crítica de las mismas integrando la información para aportar conocimientos a grupos asistenciales multidisciplinares
- Que los/las estudiantes sepan comunicar sus conclusiones y los conocimientos y razones últimas que las sustentan a públicos especializados y no especializados de un modo claro y sin ambigüedades.
- Que los/las estudiantes posean las habilidades de aprendizaje que les permitan continuar estudiando de un modo que habrá de ser en gran medida autodirigido o autónomo
- Ser capaces de acceder a la información necesaria (bases de datos, artículos científicos, etc.) y tener suficiente criterio para su interpretación y empleo.
- Poseer y comprender conocimientos que aporten una base u oportunidad de ser originales en el desarrollo y/o aplicación de ideas, a menudo en un contexto de investigación.
- Saber redactar y preparar presentaciones para posteriormente exponerlas y defenderlas.
- Ser capaces de acceder a herramientas de información en otras áreas del conocimiento y utilizarlas apropiadamente.
- Resolver de dilemas éticos derivados del empleo de medicamentos.
- Dominar la comunicación científica. Poseer habilidades sociales y comunicativas en la práctica asistencial.
- Capacidad de seleccionar y gestionar los recursos disponibles (instrumentales y humanos) para optimizar resultados en investigación.



## RESULTADOS DE APRENDIZAJE (RD 1393/2007) // SIN CONTENIDO (RD 822/2021)

- Identificar la terapia génica como una nueva herramienta terapéutica basada en la utilización de los ácidos nucleicos como medicamentos.
- Analizar de forma crítica las estrategias de terapia génica propuestas para las diferentes patologías, tanto de tipo hereditario como adquiridas
- Realizar búsquedas de información cualificada en terapia génica
- Valorar de forma crítica las nuevas aportaciones científicas en el área de terapia génica
- Transmitir información sobre las nuevas aportaciones de la terapia génica a profesionales sanitarios
- Discernir entre los avances en el conocimiento sobre terapia génica y su utilidad inmediata en la práctica clínica

## DESCRIPCIÓN DE CONTENIDOS

### 1. Fundamentos moleculares de la terapia génica

En esta unidad se pretende introducir y desarrollar el impacto que el conocimiento sobre el genoma tiene sobre la salud y la enfermedad. Se introduce los conceptos de Farmacogenética y farmacogenómico y se valora la importancia de la optimización de la respuesta del paciente a los fármacos convencionales en base a las características genéticas del individuo. Así mismo se introduce el concepto de la utilización de los ácidos nucleicos como medicamentos y los fundamentos moleculares de la terapia génica en base al diseño y construcción de genes trazadores y terapéuticos.

### 2. Vectores, estrategias y procedimientos de terapia génica

En esta unidad se pretende dar a conocer las especiales características que tienen los ácidos nucleicos para ser diseñados como medicamentos y en este sentido, el uso de vectores es un requisito importante para que los ácidos nucleicos puedan alcanzar su destino terapéutico con eficacia. Se analizan y discuten los diferentes tipos de vectores disponibles (virales y no virales) así como las ventajas e inconvenientes de cada uno de ellos, con el fin de tener criterio para seleccionar el más adecuado en base a cada patología u objetivo concreto que se pretende. Se define y muestra los principales tipos de diseño y procedimientos de utilización in vivo o ex vivo de la terapia génica y su perfil de seguridad.

### 3. Eficacia de la terapia génica

En esta unidad se muestra el valor terapéutico de la terapia génica, utilizando modelos experimentales. De un lado, se valora la importancia y la implicación que tiene en las enfermedades hereditarias la introducción de nuevos genes a las células con el fin de restablecer funciones perdidas y como en los casos en dicha pérdida de función es compensada por el nuevo gen, la célula puede recuperar su normalidad. Se muestra que la introducción de nuevas funciones en células normales puede contribuir a alcanzar objetivos terapéuticos sistémicos. De otro lado, se valora la importancia del silenciamiento génico como un procedimiento de terapia génica destinado a bloquear la función de un gen mutado,



cuya expresión es responsable de la patología. Por último se aborda los procedimientos destinados a reparar mutaciones en el genoma, con la ventaja que supone que el gen reparado puede desempeñar su función con gran eficacia y seguridad.

#### 4. Proyección clínica de la terapia génica

En esta unidad se pretende dar a conocer los medicamentos genéticos ya comercializados y el estado actual de los ensayos clínicos realizados en humanos. En estos casos, se valora su eficacia y seguridad de uso en diferentes enfermedades de carácter hereditario o adquirido, así como su interés en el desarrollo de vacunas génicas o vacunas-ADN y vacunas con células modificadas genéticamente.

#### 5. Aspectos éticos y legales de la terapia génica

La modificación y/o manipulación genética de las células tiene implicaciones sociales de carácter ético y legislativo importantes. Se abordan temas relacionados con la confidencialidad de la información genética obtenida, el derecho a saber y no saber del paciente, los límites de la manipulación genética de células somáticas o germinales, así como el uso de células embrionarias, la clonación reproductiva o terapéutica, la producción de células troncales inducibles, híbridos, etc.

### VOLUMEN DE TRABAJO

| ACTIVIDAD        | Horas        | % Presencial |
|------------------|--------------|--------------|
| Clases de teoría | 25,00        | 100          |
| Seminarios       | 5,00         | 100          |
| <b>TOTAL</b>     | <b>30,00</b> |              |

### METODOLOGÍA DOCENTE

- 1) Clases teóricas basadas en lección magistral participativa mediante el planteamiento de cuestiones
- 2) Seminarios presentados por el alumno sobre temas ofertados por el profesor, bajo la orientación y tutela del mismo
- 3) Discusión de ensayos clínicos y/o artículos científicos, moderada por el profesor
- 4) Debates sobre cuestiones sensibles, éticas o legales derivadas de la terapia génica humana
- 5) Conferencias de expertos
- 6) Resolución de cuestiones planteadas on-line

Para completar las horas presenciales se adaptarán los materiales previstos para la docencia presencial, de modo que el estudiante pueda acceder a ellas en cualquier momento. Utilización del foro del Aula virtual para atender las dudas. Para las sesiones de Prácticas del contenido teórico se combinaría la utilización de videoconferencias y/o la realización de los ejercicios propuestos mediante la opción "Tarea" del aula virtual.



Durante las actividades, tanto teóricas como prácticas, se indicarán las aplicaciones de los contenidos de la asignatura en relación con los Objetivos de Desarrollo Sostenible (ODS). Con ello se pretende proporcionar conocimientos, habilidades y motivación para comprender y abordar dichos ODS, a la vez que se promueve la reflexión y la crítica.

## EVALUACIÓN

- 1) Evaluación formativa: Problemas y cuestiones 40%
- 2) Evaluación final: Examen teórico : 40%
- 3) Trabajo: 20%

## REFERENCIAS

### Básicas

- - Artículos y revisiones en revistas especializadas en el tema:
  - Gene Therapy
  - Human Gene Therapy
  - Cancer Gene Therapy
  - Journal of Gene Medicine
  - Molecular Therapy